Deutscher Bundestag **Drucksache 19/5275**

19. Wahlperiode 25.10.2018

Vorabfassung - wird durch die lektorierte Version ersetzt.

Kleine Anfrage

der Abgeordneten Jens Beeck, Christine Aschenberg-Dugnus, Michael Theurer, Johannes Vogel, Carl-Julius Cronenberg, Pascal Kober, Till Mansmann, Matthias Seestern-Pauly, Nicola Beer, Dr. Jens Brandenburg (Rhein-Neckar), Mario Brandenburg, Britta Katharina Dassler, Hartmut Ebbing, Dr. Marcus Faber, Daniel Föst, Otto Fricke, Markus Herbrand, Torsten Herbst, Katja Hessel, Dr. Gero Hocker, Reinhard Houben, Olaf in der Beek, Thomas L. Kemmerich, Ulrich Lechte, Oliver Luksic, Dr. Wieland Schinnenburg, Judith Skudelny, Bettina Stark-Watzinger, Benjamin Strasser, Stephan Thomae, Nicole Westig und der Fraktion der FDP

Medizinische Versorgungsqualität bei Morbus Pompe

Unter den seltenen Erkrankungen in Deutschland stellen die lysosomalen Speichererkrankungen (LSK) eine Gruppe von etwa 45 genetischen Stoffwechselerkrankungen dar. Dazu gehört auch die seltene neuromuskuläre Erkrankung Morbus Pompe, die aufgrund einer genetischen Anomalie und dem daraus folgenden Mangel des sauren Alpha-Glucosidase Enzyms zu einer Anreicherung von Glykogen in der Muskulatur führt. Das nicht abgebaute Glykogen sammelt sich in den Zellen an und verursacht eine Schwächung der Muskulatur. Dies kann bereits im Säuglingsalter auftreten und beispielsweise zu einer Trinkschwäche oder fehlenden Krabbelaktivitäten oder im jugendlichen Alter zu Beeinträchtigungen beim Treppensteigen führen. Auch Verkrümmungen der Wirbelsäulen aufgrund einer unterentwickelten oder geschädigten Rumpfmuskulatur können auftreten. Jeder Muskel, darunter auch die Atemmuskulatur oder das Herz können betroffen sein, so dass auch Herzfunktionsstörungen auftreten oder intermittierende Beatmung notwendig sei kann.

Hinzu kommen eine Schädigung der beteiligten Nerven, die diese Muskeln versorgen sowie Organfunktionsstörungen aufgrund der Speicherung des Glykogens (www.dgm.de, Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke).

Die Krankheit nimmt stets einen progressiven Verlauf und führt zu irreversiblen Schäden.

Mit einer speziellen Enzymersatztherapie steht seit 2006 eine spezifische Therapie zur ambulanten Behandlung der Patienten zur Verfügung, die die Progression der Erkrankung verzögern. Unbehandelt versterben Patienten mit infantiler Verlaufsform meist innerhalb des ersten Lebensjahres.

Es handelt sich bei der Enzymersatztherapie um eine hochspezialisierte Behandlung in Form einer aufwändigen, in der Regel 14tägig anwendbaren 4-stündigen Infusionstherapie zuzüglich der erforderlichen bzw. empfohlenen Beobachtungszeit nach der Infusion von zwei Stunden, die alle Beteiligten vor große Herausforderungen stellt. Die oftmals stark mobilitätseingeschränkten Patienten sind auf

eine wohnortnahe Versorgung angewiesen und finden beispielsweise bei Wohnortwechsel nur mit Mühe einen auf Morbus Pompe spezialisierten Arzt. Diese ambulant behandelnden Ärzte werden für die hochspezialisierte Therapie und engmaschige Beobachtung lediglich im Rahmen einer klassischen Infusionstherapie vergütet.

Wir fragen die Bundesregierung:

1. Wie viele Menschen in Deutschland leiden nach Kenntnis der Bundesregierung an einer lysosomalen Speichererkrankung und wie viele Menschen davon sind an Morbus Pompe erkrankt?
2. Welche Altersstruktur liegt nach Kenntnis der Bundesregierung bei den Morbus Pompe Patienten vor?
3. Wie viele Menschen mit Morbus Pompe – Diagnose verfügen nach Kenntnis der Bundesregierung über einen Schwerbehinderten-Ausweis?
4. Welcher Grad der Schwerbehinderung ist bei Morbus Pompe durchschnittlich festgestellt?
5. Welchen Rahmen nimmt nach Kenntnis der Bundesregierung Morbus Pompe im Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE) ein?
6. Wie viele Kliniken in Deutschland verfügen nach Kenntnis der Bundesregierung über eine Spezialisierung auf Morbus Pompe?
7. Aus welchen Gründen wird nach Einschätzung der Bundesregierung die Enzymersatztherapie bei lysosomalen Speichererkrankungen im Einheitlichen Bewertungsmaßstab (EBM) der Kassenärztlichen Bundesvereinigung mit EBM 02100 anders eingestuft als intravasale Infusionstherapien mit Zytostatika, Virustatika, Antimykotika und/oder Antibiotika, mit intraperitonealen bzw. intrapleuralen Infusionstherapien oder intravasalen Infusionstherapien mit monoklonalen Antikörperpräparaten mit EBM 02101?
8. Sind der Bundesregierung Anstrengungen der Selbstverwaltungspartner im Bewertungsausschuss bekannt, die das Ziel einer angemessenen Vergütung bei der Versorgung von Menschen mit Morbus Pompe zum Ziel haben?
9. Mit welchen Maßnahmen plant die Bundesregierung die Versorgungsqualität für betroffene Patienten zu verbessern?

Berlin, den 17. Oktober 2018

Christian Lindner und Fraktion

Vorabfassung - wird durch die lektorierte Version ersetzt.

Satz: Satzweiss.com Print, Web, Software GmbH, Mainzer Straße 116, 66121 Saarbrücken, www.satzweiss.com
Druck: Printsystem GmbH, Schafwäsche 1-3, 71296 Heimsheim, www.printsystem.de
Vertrieb: Bundesanzeiger Verlag GmbH, Postfach 10 05 34, 50445 Köln, Telefon (02 21) 97 66 83 40, Fax (02 21) 97 66 83 44, www.betrifft-gesetze.de
ISSN 0722-8333